



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/162298/2019  
EMA/H/C/004406

## Hemlibra (*emicizumab*)

Przegląd wiedzy na temat leku Hemlibra i uzasadnienie udzielenia Pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

### Co to jest lek Hemlibra i w jakim celu się go stosuje

Hemlibra to lek stosowany w celu zapobiegania krwawieniom lub zmniejszenia liczby epizodów krwawienia u pacjentów z hemofilią A (dziedziczne zaburzenie krzepnięcia krwi wynikające z braku czynnika VIII).

Lek jest stosowany u pacjentów, u których doszło do rozwoju inhibitorów czynnika VIII. Inhibitory te są przeciwciałami we krwi, które działają przeciw lekom zawierającym czynnik VIII i uniemożliwiają ich prawidłowe działanie. Lek jest również stosowany u pacjentów, u których nie występują inhibitory czynnika VIII, w przypadku gdy hemofilia ma postać ciężką.

Lek Hemlibra zawiera substancję czynną emicizumab.

### Jak stosować lek Hemlibra

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpoczynać lekarz z doświadczeniem w leczeniu hemofilii lub zaburzeń krzepnięcia.

Lek jest dostępny w postaci roztworu do wstrzykiwań podskórnych w brzuch, udo lub górną część ramienia. Po przejściu odpowiedniego szkolenia pacjenci lub ich opiekunowie mogą być w stanie samodzielnie wstrzykiwać lek Hemlibra w domu. Wstrzyknięcie w ramię powinno być podawane wyłącznie przez opiekuna lub pracownika służby zdrowia.

Dzień przed rozpoczęciem stosowania leku Hemlibra należy zakończyć podawanie leków omijających (leki stosowane w celu zapobiegania krwawieniom u pacjentów z inhibitorami czynnika VIII, takie jak aktywowany koncentrat kompleksu protrombiny lub rekombinowany czynnik VIIa).

Dawka leku Hemlibra zależy od masy ciała pacjenta. Zalecana dawka to 3 mg na kg masy ciała raz w tygodniu przez pierwsze 4 tygodnie. Następnie pacjenci mogą przyjmować 1,5 mg na kg masy ciała raz w tygodniu, 3 mg na kg masy ciała co 2 tygodnie lub 6 mg na kg masy ciała co 4 tygodnie. Lek Hemlibra jest przeznaczony do długotrwałego stosowania.

---

**Official address** Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

**Address for visits and deliveries** Refer to [www.ema.europa.eu/how-to-find-us](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Więcej informacji o sposobie stosowania leku Hemlibra znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

## **Jak działa lek Hemlibra**

U pacjentów z hemofilią A występuje brak czynnika VIII – substancji w organizmie wspomagającej krzepnięcie krwi. Substancja czynna leku Hemlibra – emicizumab – jest przeciwciałem monoklonalnym, które zostało zaprojektowane w taki sposób, aby działało tak, jak czynnik VIII – łącząc 2 czynniki krzepnięcia (IXa i X) w łańcuchu reakcji koniecznych do krzepnięcia krwi.

Ze względu na to, że emicizumab ma inną budowę niż czynnik VIII, inhibitory czynnika VIII nie mają na niego wpływu.

## **Korzyści ze stosowania leku Hemlibra wykazane w badaniach**

W badaniu z udziałem 109 pacjentów udowodniono skuteczność leku Hemlibra w zapobieganiu krwawieniom u chorych na hemofilię A o różnym nasileniu, u których występują inhibitory czynnika VIII. W tym badaniu u pacjentów otrzymujących lek Hemlibra w celach profilaktycznych występowało mniej krwawień wymagających leczenia (odpowiednik 3 krwawień na rok) niż u pacjentów nieotrzymujących leczenia profilaktycznego (odpowiednik 23 krwawień na rok).

Do badania zakwalifikowano także pacjentów przyjmujących już profilaktycznie leki określane jako leki omijające. Po zmianie leczenia u tych pacjentów na lek Hemlibra liczba leczonych krwawień na pacjenta zmniejszyła się z odpowiednika około 16 krwawień na rok przed zmianą leczenia do odpowiednika około 3 krwawień na rok po zmianie. Pacjenci otrzymujący lek Hemlibra mieli także lepsze wskaźniki jakości życia niż osoby nieotrzymujące leku Hemlibra.

W badaniu z udziałem 152 pacjentów wykazano, że lek Hemlibra jest również skuteczny w zapobieganiu epizodom krwawienia u pacjentów z ciężką postacią hemofilii A, u których nie występują inhibitory czynnika VIII. U pacjentów otrzymujących lek Hemlibra w celach profilaktycznych wystąpił około 1 epizod krwawienia wymagający leczenia na rok, natomiast u pacjentów nieotrzymujących leczenia profilaktycznego wystąpiło 38 epizodów krwawienia rocznie.

## **Ryzyko związane ze stosowaniem leku Hemlibra**

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Hemlibra (mogące wystąpić u co najmniej 1 na 10 pacjentów) to zaczerwienienie, swędzenie lub ból w miejscu wstrzyknięcia, ból głowy oraz ból stawów.

Najpoważniejszym działaniem niepożądanym jest mikroangiopatia zakrzepowa (zakrzepy w małych naczyniach krwionośnych, działanie to może wystąpić u 1 na 100 pacjentów). Może także wystąpić nieprawidłowe krzepnięcie (u 1-10 na 1000 pacjentów); obejmuje ono zakrzepicę zatoki jamistej (zakrzep u podstawy mózgu) i zakrzepicę żył powierzchownych (zakrzepy w żyłach pod skórą, zwykle rąk lub nóg) z uszkodzeniem skóry.

Pełny wykaz działań niepożądanych oraz ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Hemlibra znajduje się w ulotce dla pacjenta.

## **Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Hemlibra w UE**

Dla pacjentów z hemofilią A, u których doszło do rozwoju inhibitorów czynnika VIII, odpowiednich jest tylko kilka leków, zwanych lekami omijającymi. Hemlibra zmniejsza liczbę epizodów krwawienia u tych pacjentów i poprawia jakość życia.

Ponadto lek zmniejsza liczbę epizodów krwawień u pacjentów z ciężką postacią hemofilii A, u których nie występują inhibitory czynnika VIII.

Działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Hemlibra są możliwe do zniesienia, a informacje dotyczące zarządzania ryzykiem poważnych działań niepożądanych umieszczono w szczegółowej informacji o leku oraz materiałach edukacyjnych.

Europejska Agencja Leków (EMA) uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Hemlibra przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE

## **Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Hemlibra**

Firma, która wprowadza lek Hemlibra do obrotu, wyda materiały edukacyjne dla personelu medycznego, pacjentów, opiekunów i personelu laboratoriów dotyczące działań niepożądanych związanych z nieprawidłowym krzepnięciem, ryzyka wynikającego ze stosowania leku Hemlibra jednocześnie z lekami omijającymi oraz wykonywania badań laboratoryjnych dla tych pacjentów. Materiały będą obejmowały druki informacyjne, poradniki oraz kartę ostrzegawczą dla pacjenta.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Hemlibra w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Hemlibra są stale monitorowane. Zgłaszane działania niepożądane leku Hemlibra są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

## **Inne informacje dotyczące leku Hemlibra**

Lek Hemlibra otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia 23 lutego 2018 r.

Dalsze informacje na temat leku Hemlibra znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem:

Data ostatniej aktualizacji: 03.2019.